

编码：YPSW202600588

2026年国家医保药品目录调整
申报材料（公示版）



中国医疗保障

CHINA HEALTHCARE SECURITY

药品名称： 无水甜菜碱散剂

企业名称： 北京斯利安药业有限公司

申报信息

申报时间	2026-06-10 18:01:36	药品目录	药品目录外
------	---------------------	------	-------

一、基本信息

药品申报条件：

- 1.2021年1月1日（含，下同）至2026年6月10日期间，经国家药监部门批准上市或已完成技术审评的新通用名药品，仅因转产、再注册等单纯更改通用名的药品除外。
- 2.2021年1月1日至2026年6月10日期间，经国家药监部门批准或已完成技术审评，适应症或功能主治发生重大变化，且针对此次变更获得药品批准证明文件的药品。
- 3.2020年1月1日后国家药监部门附条件批准上市且于2023年1月1日至2026年5月31日期间转为常规批准的新通用名药品（不含新适应症或功能主治）。
- 4.2026年6月10日前经国家药监部门批准上市或已完成技术审评，纳入现行版《国家基本药物目录》的药品。
- 5.纳入《商业健康保险创新药品目录》（2025年）的药品。
- 6.2026年6月10日前经国家药监部门批准上市或已完成技术审评，纳入国家卫生健康委等部门《首批鼓励研发申报儿童药品清单》《第二批鼓励研发申报儿童药品清单》《第三批鼓励研发申报儿童药品清单》《第四批鼓励研发申报儿童药品清单》《第五批鼓励研发申报儿童药品清单》以及《第一批鼓励仿制药品目录》《第二批鼓励仿制药品目录》《第三批鼓励仿制药品目录》《第四批鼓励仿制药品目录》的药品。
- 7.2026年6月10日前经国家药监部门批准上市或已完成技术审评，说明书适应症或功能主治中包含有国家卫生健康委《第一批罕见病目录》《第二批罕见病目录》所收录罕见病的药品。
- 8.2020年1月1日以后谈判准入的品种，因未能成功续约而被调出目录的，首个同通用名药品于2021年1月1日至2026年5月31日期间获批上市的，但原谈判企业品种不能申报。

药品通用名称（中文、含剂型）	无水甜菜碱散剂	商品名	无
医保药品分类与代码	-	是否为独家	是
申报目录类别	基本医保目录		
药品类别	西药		
① 药品注册分类	化药3类		
核心专利类型1	无	核心专利权期限届满日1	-
核心专利类型1	无	核心专利权期限届满日1	-
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	1g 散剂中含 1g 无水甜菜碱		
上市许可持有人（授权企业）	北京斯利安药业有限公司		
说明书全部适应症/功能主治	甜菜碱可降低儿童和成人血液中同型半胱氨酸水平。本品用于治疗如下原因引起的高同型半胱氨酸血症：（1）胱硫醚β合酶（CBS）缺乏（2）5,10-亚甲基四氢叶酸还原酶（MTHFR）缺乏（3）钴胺素（维生素 B12）辅助因子代谢（cbl）缺陷		
说明书用法用量	无水甜菜碱散剂需溶解后服用。1、剂量 推荐按体重 50mg/kg/次，每日两次，早晚各一次。应根据血同型半胱氨酸和蛋氨酸的水平调整剂量。在某些患者中，可能需要给予 200mg/kg/天剂量来控制血浆中同型半胱氨酸水平。对于因高蛋氨酸血症风险引起的 CBS 缺乏的患者，应谨慎服用。这些患者应密切监测体内蛋氨酸水平。2、肝或肾功能不全患者在肾功能不全或非酒精性脂肪肝变性患者中使用无水甜菜碱进行治疗的经验表明，无需调整甜菜碱的剂量方案。3、用药说明· 打开瓶盖前轻轻摇晃瓶子（如有结块属正常现象，摇晃可使其分散）；· 提供了 3 个不同规格量勺，分别量取 100mg、150mg 和 1g 无水甜菜碱（量勺规格标注在勺柄处）；· 从瓶里舀出满满一勺药粉（药粉表面高过量勺），用另一量勺的勺柄平放刮平，将粉末全部倒出；· 将量取的药粉与水、果汁、牛奶、配方奶粉或食物混合，直至完全溶解，混合后立即服用。· 开封后，请务必盖紧瓶盖，防止吸湿。		
所治疗疾病基本情况	高同型半胱氨酸血症是蛋氨酸代谢的遗传性疾病，由于各种原因导致的同型半胱氨酸代谢受阻，体内同型半胱氨酸异常堆积，血中同型半胱氨酸升高。该病已收录于国家《第一批罕见病目录》和2019年《第三批鼓励研发申报儿童药品建议清单》推荐无水甜菜碱散剂（规格为180g）。		

是否已获批上市	否，已于6月10日前完成技术审评		
该通用名全球首个上市国家/地区	美国	该通用名全球首次上市时间	1996-10
是否为OTC	否		
同疾病治疗领域内或同药理作用药品上市情况	自研的无水甜菜碱散剂获批的适应症是“可降低儿童和成人血液中同型半胱氨酸水平。本品用于治疗如下原因引起的高同型半胱氨酸血症：（1）胱硫醚β合酶（CBS）缺乏；（2）5,10-亚甲基四氢叶酸还原酶（MTHFR）缺乏；（3）钴胺素（维生素B12）辅助因子代谢（cbl）缺陷”。医保目录内并无获批此适应症药品。现阶段临床为经验用药，均未获批该适应症。本品具有多方面优势：1.开展了严谨的多中心RCT注册临床研究，研究结果有力支持本品具有确切的疗效和安全性；2.为国内外高同型半胱氨酸血症治疗指南和专家共识一致推荐药物；3.2019年《第三批鼓励研发申报儿童药品建议清单》推荐药物，属于临床急需药物，填补国内市场临床治疗空白。		
企业承诺书	↓ 下载文件 企业承诺书.pdf		
药品最新版法定说明书（ 预申报药品请先上传提交至药监部门审批的说明书，并在规定时间内上传经药监部门审核的说明书 ）	↓ 下载文件 无水甜菜碱散剂上市药品说明书.pdf		
所有《药品注册证书》（国产药品）或《进口药品注册证》（进口药品），包括首次上市的批准注册证明文件和历次《药品补充申请批准通知书》《药品再注册批准通知书》，请扫描成一个文件后上传	↓ 下载文件 评审进度截图.pdf		
申报药品摘要幻灯片（含价格费用信息）	↓ 下载文件 无水甜菜碱散剂PPT1.pptx		
申报药品摘要幻灯片（不含价格费用信息）将要同其他信息一同向社会公示	↓ 下载文件 无水甜菜碱散剂PPT2.pptx		



参照药品信息

说明：

- 参照药品原则上应为同治疗领域内临床应用最广泛的目录内药品，最终参照药品认定以专家评审意见为准。
- 中成药：一律填写日均费用。
- 西药：（1）慢性病用药，原则上计算日费用，如有治疗周期，标注治疗周期。
 - 急抢救、麻醉、检验等用药，请按一个治疗周期计算次均费用。
 - 肿瘤、罕见病用药原则上按365天用药计算年费用，如说明书中严格限定了治疗周期，可按治疗周期计算疗程费用，并予以说明。
 - 其它情况请按说明书用法用量计算费用，并详细说明。
 - 计算过程中如涉及以下指标，请统一按以下标准计算上述费用，如未按以下标准，请说明。
 - 儿童：18周岁以下，体重20公斤，体表面积0.8m²。
 - 成人：18周岁及以上，体重65公斤，体表面积1.68m²。

参照药品名称	是否医保目录内	规格	单价（元） ^①	用法用量	费用类型	金额（元） ^①	疗程/周期 ^①
无	-	-	-	-	-	-	-

参照药品选择理由：-

其他情况请说明：-

二、有效性信息

试验类型1	单臂临床实验
试验对照药品	无
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	本疾病的治疗目的在于降低血中同型半胱氨酸水平，促进患儿的神经系统发育、延缓并发症的进展。自研无水甜菜碱散剂开展的单臂、多中心、自身对照III期临床研究以接受本品持续治疗16周后血清总Hcy水平作为评价指标。研究表明，治疗16周后血清总Hcy水平下降均值为-41.603 $\mu\text{mol/L}$ ，下降率为-32.923%，治疗有效率达82.35%，证明本品可显著降低患者血总Hcy水平。
试验数据结果证明文件，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）	↓ 下载文件 试验类型1-无水甜菜碱散剂III期临床研究总结报告.pdf
试验类型2	单臂临床实验
试验对照药品	无
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	一项在日本开展的注册III期临床试验，共纳入6例高同型半胱氨酸血症患者。本研究旨在评估服用甜菜碱32周后，患者血浆总Hcy水平的变化情况。在5例转换患者中，与给药前相比以及在持续给药期基本均无变化，即更换为试验药物后的服药前值并未恶化；1例新患者在给药16和24周时，血浆中的总Hcy水平下降至标准值(15 $\mu\text{mol/L}$)以内。
试验数据结果证明文件，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）	↓ 下载文件 试验类型2-参考文献-PMDA审评综述.pdf
试验类型3	真实世界数据
试验对照药品	无
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	国外Cystadane®治疗成人和儿童高同型半胱氨酸血症的一项非干预、观察性、多中心、授权后的上市后安全性回顾研究：29个中心共纳入125例高同型半胱氨酸血症患者，接受无水甜菜碱治疗，平均持续时间7.4 \pm 4.3年。患者末次访视的血总Hcy平均水平较首次访视降低(79.07 \pm 46.51 $\mu\text{mol/L}$ vs.111.29 \pm 70.31 $\mu\text{mol/L}$)，总体平均降幅为29.0%，血总Hcy显著降低。
试验数据结果证明文件，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）	↓ 下载文件 试验类型3-参考文献-无水甜菜碱原研产品在欧洲的回顾性研究.pdf
试验类型1	单臂临床实验
试验对照药品	无

试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	本疾病的治疗目的在于降低血中同型半胱氨酸水平，促进患儿的神经系统发育、延缓并发症的进展。自研无水甜菜碱散剂开展的单臂、多中心、自身对照III期临床研究以接受本品持续治疗16周后血清总Hcy水平作为评价指标。研究表明，治疗16周后血清总Hcy水平下降均值为-41.603 $\mu\text{mol/L}$ ，下降率为-32.923%，治疗有效率达82.35%，证明本品可显著降低患者血总Hcy水平。
试验数据结果证明文件，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）	↓ 下载文件 试验类型1-无水甜菜碱散剂III期临床研究总结报告.pdf
试验类型2	单臂临床实验
试验对照药品	无
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	一项在日本开展的注册III期临床试验，共纳入6例高同型半胱氨酸血症患者。本研究旨在评估服用甜菜碱32周后，患者血浆总Hcy水平的变化情况。在5例转换患者中，与给药前相比以及在持续给药期基本均无变化，即更换为试验药物后的服药前值并未恶化；1例新患者在给药16和24周时，血浆中的总Hcy水平下降至标准值(15 $\mu\text{mol/L}$)以内。
试验数据结果证明文件，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）	↓ 下载文件 试验类型2-参考文献-PMDA审评综述.pdf
试验类型3	真实世界数据
试验对照药品	无
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	国外Cystadane®治疗成人和儿童高同型半胱氨酸血症的一项非干预、观察性、多中心、授权后的上市后安全性回顾研究：29个中心共纳入125例高同型半胱氨酸血症患者，接受无水甜菜碱治疗，平均持续时间7.4 \pm 4.3年。患者末次访视的血总Hcy平均水平较首次访视降低(79.07 \pm 46.51 $\mu\text{mol/L}$ vs. 111.29 \pm 70.31 $\mu\text{mol/L}$)，总体平均降幅为29.0%，血总Hcy显著降低。
试验数据结果证明文件，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）	↓ 下载文件 试验类型3-参考文献-无水甜菜碱原研产品在欧洲的回顾性研究.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况1	《罕见病诊疗指南》（2019年版）中推荐了三种治疗“高同型半胱氨酸血症”的疗法，其中一种为甜菜碱。治疗目的在于降低血清中同型半胱氨酸水平，促进患儿的神经系统发育、延缓并发症的进展。推荐意见：“甜菜碱通过将同型半胱氨酸再次甲基化成蛋氨酸从而降低血清中同型半胱氨酸水平。”
临床指南/诊疗规范中需包含申报药品推荐情况具体内容，并突出（高亮）显示药品名称、适应症、推荐意见等关键信息，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中	↓ 下载文件 罕见病诊疗指南2019年版-节选.pdf

文翻译件须经专业翻译机构认证, 以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性)	
临床指南/诊疗规范推荐情况1	《罕见病诊疗指南》(2019年版)中推荐了三种治疗“高同型半胱氨酸血症”的疗法, 其中一种为甜菜碱。治疗目的在于降低血清中同型半胱氨酸水平, 促进患儿的神经系统发育、延缓并发症的进展。推荐意见: “甜菜碱通过将同型半胱氨酸再次甲基化成蛋氨酸, 从而降低血清中同型半胱氨酸水平。”
临床指南/诊疗规范中需包含申报药品推荐情况具体内容, 并突出(高亮)显示药品名称、适应症、推荐意见等关键信息, 外文资料须同时提供原文及中文翻译件(除英语之外的外文资料, 中文翻译件须经专业翻译机构认证, 以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性)	↓ 下载文件 罕见病诊疗指南2019年版-节选.pdf

国家药监局药品审评中心《技术审评报告》中关于本药品有效性的描述	CDE审评进展: 临床、药理毒理学、统计与临床药理学(临床药理): 技术审评已结束。
《技术审评报告》原文(可节选)	↓ 下载文件 评审进度截图.pdf
国家药监局药品审评中心《技术审评报告》中关于本药品有效性的描述	CDE审评进展: 临床、药理毒理学、统计与临床药理学(临床药理): 技术审评已结束。
《技术审评报告》原文(可节选)	↓ 下载文件 评审进度截图.pdf

三、安全性信息

药品说明书刊载的安全性信息	<p>【不良反应】 甜菜碱治疗所见的不良反应并不严重, 主要与胃肠道系统有关。胃肠道疾病如腹泻, 舌炎, 恶心, 胃部不适, 呕吐和牙齿疾病发生频率均为不常见。治疗期间最常报告的不良反应是血液蛋氨酸浓度增加(仅CBS缺乏症患者, 推测引起的继发性高蛋氨酸血症是由于甜菜碱的作用机制导致的)。停药后可完全恢复。【禁忌】 对该药物过敏者禁用。【注意事项】 1、定期测定血浆中总Hcy和血浆蛋氨酸水平, 注意保持血浆Hcy水平在15μM以下或尽可能低, 并注意血浆蛋氨酸水平升高。2、在对CBS缺乏症的患者进行甜菜碱治疗, 出现了伴有高蛋氨酸血症的严重脑水肿的罕见病例, 停药后可完全恢复, 对于因CBS缺乏引起高蛋氨酸血症风险的患者, 应谨慎服用。这些患者应密切监测蛋氨酸水平。3、为了使潜在的药物相互作用的风险降到最低, 建议服用无水甜菜碱时, 应与服用氨基酸混合物和/或含有氨基烯酸和GABA(γ-氨基丁酸)类似物的药品之间间隔30分钟。【药物相互作用】 根据体外实验数据, 甜菜碱可能与氨基酸混合物和含有氨基烯酸和GABA(γ-氨基丁酸)类似物的药物发生相互作用。</p>
药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果	药品上市后, 各国家或地区药监部门5年内无发布的安全性警告、黑框警告; 药品在临床应用中无发生副作用的情况。
相关报导文献	-

四、创新性信息

创新程度	2018年发布的《第一批罕见病目录》收录的45号罕见病为“同型半胱氨酸血症(Homocysteinemia) 2019年《第三批鼓励研发申报儿童药品建议清单》推荐无水甜菜碱散剂(规格为180g) 本品为国内首家获准按优先审评范围“(二)符合儿童生理特征的儿童用药品新品种、剂型和规格; (六)国家药品监督管理局规定其他优先审评审批的情形”纳入优先审评审批程序。
创新性证明文件	↓ 下载文件 创新性证明文件.pdf

应用创新	本品为多剂量包装，配备3把定量药勺（100mg、150mg、1g），可按体重精准给药，适用婴幼儿至成人。本品可与水、果汁、牛奶、配方奶粉或食物混合溶解服用，婴幼儿和儿童的用药依从性高。在肾功能不全或非酒精性脂肪肝变性患者中使用无水甜菜碱进行治疗的经验表明：对于肝或肾功能不全患者，无需调整甜菜碱的剂量方案，不影响用药，安全性良好。
应用创新证明文件	↓ 下载文件 无水甜菜碱散剂上市药品说明书.pdf
传承性（仅中成药填写）	-
传承性证明文件	-

五（一）、公平性信息

所治疗疾病对公共健康的影响	高同型半胱氨酸血症可导致神经精神、心、脑、肾脏、眼、骨骼等多系统损害，可见血栓及心脑血管疾病，尤其是儿童患者，可致智力运动落后，晶状体异位、癫痫发作等。据统计，经典型高血同（CBS缺乏）发病率在活产新生儿中为1/30万~1/20万，其他两类遗传型高血同尚无国内统计数据。若长期规范治疗，可延缓甚至避免并发症的发生。目前目录内尚无治疗此疾病的药品，患者长期无药可用，严重影响公众健康。
符合“保基本”原则（仅涉及申请《基本医保目录》的药品填写）	自主研发，实现原料制剂一体化。企业可持续稳定供应，质量可控。并提供惠及国内患者的价格，极大降低患者经济负担。居家口服用药可减少住院费用和医疗资源消耗，符合医保“保基本”逻辑。成人、儿童均可应用，且肝肾功能不全患者无需调整剂量。
弥补目录短板	目前国家医保目录内尚无专门针对高同型半胱氨酸血症的治疗药品。本品以独特的甲基供体机制填补该降血同治疗药物的空白，实现目录内该病种用药从“无”到“有”的突破。无水甜菜碱散剂将切实降低致残致死率，提升我国疾病整体防控与公共卫生水平。
临床管理难度	本品适应症：“可降低儿童和成人血液中同型半胱氨酸水平”。适应症明确、疾病诊断标准明确，临床可通过检测快速确诊，医生判断是否用药无模糊地带。医保基金支付条件明确，有效保障基金安全，减少滥用风险。

中国医疗保障
CHINA HEALTHCARE SECURITY